



(12) Translation of
European patent specification

(11) NO/EP 3957320 B1

NORWAY

(19) NO
(51) Int Cl.

A61K 38/47 (2006.01)

A61K 31/445 (2006.01)

Norwegian Industrial Property Office

(45)	Translation Published	2023.12.04
(80)	Date of The European Patent Office Publication of the Granted Patent	2023.08.23
(86)	European Application Nr.	21174249.9
(86)	European Filing Date	2016.12.29
(87)	The European Application's Publication Date	2022.02.23
(30)	Priority	2015.12.30, US, 201562272890 P 2016.02.26, US, 201662300479 P 2016.03.30, US, 201662315412 P 2016.09.30, US, 201662402454 P 2016.12.01, US, 201662428867 P 2016.12.08, US, 201662431791 P
(84)	Designated Contracting States:	AL ; AT ; BE ; BG ; CH ; CY ; CZ ; DE ; DK ; EE ; ES ; FI ; FR ; GB ; GR ; HR ; HU ; IE ; IS ; IT ; LI ; LT ; LU ; LV ; MC ; MK ; MT ; NL ; NO ; PL ; PT ; RO ; RS ; SE ; SI ; SK ; SM ; TR
(62)	Divided application	EP3397273, 2016.12.29
(73)	Proprietor	Amicus Therapeutics, Inc., 3675 Market Street, Philadelphia, PA 19104, USA
(72)	Inventor	DO, Hung V., Philadelphia, 19104, USA KHANNA, Richie, Philadelphia, 19104, USA GOTSCHALL, Russell, Philadelphia, 19104, USA
(74)	Agent or Attorney	RWS, Europa House, Chiltern Park, Chiltern Hill, SL99FG CHALFONT ST PETER, Storbritannia

(54)	Title	AUGMENTED ACID ALPHA-GLUCOSIDASE FOR THE TREATMENT OF POMPE DISEASE
------	-------	--

(56)	References Cited:	WO-A1-2016/054231 R Gottschall ET AL: "Novel rhGAA with Optimal Glycosylation Is Significantly Better than Alglucosidase Alfa for Glycogen Clearance in Skeletal Muscles of Gaa KO Mice", 11th World Symp Lysosomal Dis Netw (February 9-13, Orlando) 2015, Abst 94, 12 February 2015 (2015-02- 12), XP055348233, Retrieved from the Internet: URL: http://files.shareholder.com/downloads/AMTX/3343666038x0x808165/4D574EF7-3FF6-4E-EF-A511-CA68AE0F173F/Gotschall_et_al_Novel_rhGAA_with_Optimal_Glycosylation.pdf [retrieved on 2017-02-21]
------	----------------------	--

Enclosed is a translation of the patent claims in Norwegian. Please note that as per the Norwegian Patents Acts, section 66i the patent will receive protection in Norway only as far as there is agreement between the translation and the language of the application/patent granted at the EPO. In matters concerning the validity of the patent, language of the application/patent granted at the EPO will be used as the basis for the decision. The patent documents published by the EPO are available through Espacenet (<http://worldwide.espacenet.com>) or via the search engine on our website here: <https://search.patentstyret.no/>

Patentkrav

1. En sammensetning som omfatter rekombinante humane syre α -glukosidase (rhGAA) -molekyler for bruk ved behandling av Pompe-sykdom i kombinasjon med
5 miglustat i en pasient som har behov for det;
hvor pasienten har gjennomgått en enzymerstatningsterapi (ERT);
hvor sammensetningen er administrert intravenøst i en dose på 5 mg/kg til 20 mg/kg og
nevnte miglustat er administrert oralt i en dose på 260 mg eller 130 mg;
hvor rhGAA-molekylene blir produsert i kinesiske-hamster-ovarieceller (CHO), hvor
10 rhGAA-molekylene omfatter syv potensielle N-glykosyleringssteder, hvor 40%-60% av N-glykanene på rhGAA-molekylene er komplekse N-glykaner, og hvor i det minste 50% av rhGAA-molekylene bærer en bis-mannose-6-fosfat (bis-M6P) -enhet ved det første potensielle N-glykosyleringsstedet.
- 15 2. Sammensetningen for bruk ifølge krav 1, hvor rhGAA-molekylene er uttrykt med
(i) en sekvens som er i det minste 95% identisk med SEQ ID NO: 4; eller
(ii) sekvensen av SEQ ID NO: 4, hvor rhGAA-molekylene gjennomgår en post-translasjonsmodifisering for å fjerne de første 56 aminosyrene.
- 20 3. Sammensetningen for bruk ifølge krav 1 eller krav 2, hvor i det minste 55% av rhGAA-molekylene bærer en bis-M6P-enhet ved det første potensielle N-glykosyleringsstedet.
4. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-3, hvor i det
25 minste 70% av rhGAA-molekylene er fosforylert ved det første potensielle N-glykosyleringsstedet.
5. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-4, hvor i det
minste 40% av rhGAA-molekylene bærer en mono-mannose-6-fosfat (mono-M6P) -enhet
30 ved det andre potensielle N-glykosyleringsstedet.
6. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-5, hvor i det
minste 40% av rhGAA-molekylene bærer en bis-M6P-enhet ved det fjerde potensielle N-glykosyleringsstedet.
35
7. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-6, hvor i det
minste 25% av rhGAA-molekylene bærer en mono-M6P-enhet ved det fjerde potensielle
N-glykosyleringsstedet.

8. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-7, hvor sammensetningen er administrert i en dose på 20 mg/kg ved intravenøs infusjon over omtrent fire timer hver 2. uke, hvor nevnte miglustat er administrert en time før den intravenøse infusjonen av sammensetningen, og hvor pasienten faster i det minste to timer før og i det minste to timer etter den orale administreringen av miglustat.
9. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-8, hvor sammensetningen er administrert intravenøst i en dose på 5 mg/kg, 10 mg/kg eller 20 mg/kg.
10. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-9, hvor sammensetningen er administrert i en dose på 20 mg/kg og nevnte miglustat er administrert oralt i en dose på 260 mg.
11. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-10, hvor pasienten er ambulerende.
12. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-10, hvor pasienten er ikke-ambulerende.
13. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-12, hvor pasienten hadde tidligere mottatt ERT med alglukosidase alfa.
14. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-13, hvor pasienten er ikke-ambulerende og har mottatt ERT med alglukosidase alfa i minst 2 år tidligere.
15. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-13, hvor pasienten er ambulerende og har mottatt ERT med alglukosidase alfa for de forrige 2-6 årene.
16. Sammensetningen for bruk ifølge et hvilket som helst av kravene 1-15, hvor rhGAA-molekylene har en sekvens på minst 95 %, minst 98 % eller minst 99 % identisk med
- SEQ ID NO: 5.